



МОЗ УКРАЇНИ
ДЕРЖАВНЕ ПІДПРИЄМСТВО
«ДЕРЖАВНИЙ ЕКСПЕРТНИЙ ЦЕНТР МІНІСТЕРСТВА
ОХОРОНИ ЗДОРОВ'Я УКРАЇНИ»
(ДЕРЖАВНИЙ ЕКСПЕРТНИЙ ЦЕНТР МОЗ УКРАЇНИ)

вул. Антона Цедіка, 14, м. Київ, 03057, тел.: (044) 202-17-05

e-mail: dec@dec.gov.ua www.dec.gov.ua код ЄДРПОУ 20015794

Висновок
уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій за
скороченою процедурою: еміцизумаб

Державна оцінка медичних технологій за скороченою процедурою за зверненням МОЗ України проведена уповноваженим органом з державної оцінки медичних технологій відповідно до вимог Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 №1300 та складається з аналізу порівняльної ефективності (результативності), безпеки та впливу на бюджет лікарського засобу на основі даних з відкритих джерел інформації. Висновок уповноваженого органу з державної оцінки медичних технологій за скороченою процедурою має рекомендаційний характер. Надані дані у висновку є актуальними станом на дату його підготовки.

1. Інформація про дату проведення державної оцінки медичних технологій за скороченою процедурою заявленого лікарського засобу: 18.09.2026.

Державна оцінка медичних технологій (далі – ОМТ) за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб, розчин для ін'єкцій за показанням для рутинної профілактики з метою зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII була проведена за зверненням МОЗ України на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 № 1300 (лист МОЗ України від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26).

Звертаємо увагу, що у 2022 році уповноваженим органом було проведено державну ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб за показанням для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит

VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII (висновок уповноваженого органу від 01.09.2022¹). У 2023 році за ініціативою заявника було проведено державну ОМТ лікарського засобу еміцизумаб за з цим же показанням та за результатами первинної та фахової експертизи заяви, досьє, що були надані заявником, сформовано висновок уповноваженого органу від 19.09.2023² та рекомендовано розглянути можливість проведення переговорів щодо договорів керованого доступу.

2. Інформація про заявлений лікарський засіб

1) найменування (прізвище, ім'я, по батькові) заявника та назва виробника лікарського засобу:

Станом на 18.09.2026 за даними Державного реєстру лікарських засобів³ лікарський засіб еміцизумаб представлений таким торговельним найменуванням:

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 30 мг/1 мл; по 1 мл (30 мг); по 0,4 мл (12 мг) у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці.

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 150 мг/1 мл; по 0,4 мл (60 мг); по 0,7 мл (105 мг); по 1 мл (150 мг) у флаконі; по 1 флакону в картонній коробці.

Виробник: Чугай Фарма Мануфектуринг Ко, Лтд (виробництво нерозфасованої продукції, первинне пакування, випробування контролю якості; випробування контролю якості), Японія, Самсунг БіоЛоджикс Ко, Лтд (виробництво нерозфасованої продукції, первинне пакування, випробування контролю якості), Республіка Корея, Ф.Хоффманн-Ля Рош Лтд (випробування контролю якості, вторинне пакування, випуск серії), Швейцарія.

Заявник: ТОВ «Рош Україна», Україна.

2) торговельна назва лікарського засобу:

ГЕМЛІБРА

3) міжнародна непатентована назва або синонімічне найменування:

Emicizumab

4) склад лікарського засобу (діючі та допоміжні речовини):

діюча речовина: еміцизумаб; 1 флакон містить 12 мг/0,4 мл або 30 мг/1 мл, або 60 мг/0,4 мл, або 105 мг/0,7 мл, або 150 мг/1 мл еміцизумабу;

допоміжні речовини: L-гістидин, L-кислота аспаргінова, L-аргінін, полоксамер 188, вода для ін'єкцій.

5) форма випуску:

Розчин для ін'єкцій.

6) спосіб застосування лікарського засобу:

Тільки для підшкірного введення. Рекомендована навантажувальна доза становить 3 мг/кг маси тіла, що вводиться підшкірно один раз на тиждень протягом перших 4 тижнів, надалі лікарський засіб застосовують у підтримуючій дозі:

- 1,5 мг/кг маси тіла один раз на тиждень або;

¹https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2021/10/dodatok_emicyzumab_vysnovok.pdf

² <https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2022/02/vysnovok-z-derzhavnoyi-omt-emicyzumab-vid-19.09.2023-1.pdf>

³ <http://www.drlz.com.ua/ibp/ddsite.nsf/all/shlist?opendocument&query=%E3%E5%EC%EB%B3%E1%F0%E0>

- 3 мг/кг маси тіла один раз на два тижні, або;
- 6 мг/кг маси тіла один раз на чотири тижні.

Вибір підтримуючої дози має базуватися на тому, чому віддає перевагу медичний спеціаліст, із урахуванням режимів, які можуть сприяти покращенню дотримання пацієнтом режиму лікування.

7) інформація про наявність державної реєстрації лікарського засобу в Україні:

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 30 мг/1 мл; по 1 мл (30 мг); по 0,4 мл (12 мг) у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці. Реєстраційне посвідчення: UA/16914/01/01. Термін дії РП: необмежений з 29.01.2024.

ГЕМЛІБРА®, розчин для ін'єкцій по 150 мг/1 мл; по 0,4 мл (60 мг); по 0,7 мл (105 мг); по 1 мл (150 мг) у флаконі; по 1 флакону в картонній коробці. Реєстраційне посвідчення: UA/16914/01/02. Термін дії РП: необмежений з 29.01.2024.

8) фармакологічна дія лікарського засобу та код за анатомо-терапевтично-хімічною класифікацією:

Еміцизумаб – зв'язує активовані фактор IX і фактор X, відновлюючи недостатню функцію активованого фактора VIII, який є необхідним для ефективного гемостазу.

Фармакотерапевтична група: Засоби, що впливають на систему крові та гемопоез. Антигеморагічні засоби. Вітамін К та інші гемостатичні засоби. Інші гемостатичні засоби для системного застосування. Еміцизумаб. Код АТХ B02B X06.

9) показання до медичного застосування, за яким подавалася заява:

Державну ОМТ проведено за скороченою процедурою за зверненням МОЗ України, що не передбачає подання заяви. У листі зверненні МОЗ (від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26) зазначено наступне показання: для рутинної профілактики з метою зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

10) показання до медичного застосування відповідно до інструкції для медичного застосування, затверджені МОЗ, за наявності державної реєстрації лікарського засобу в Україні:

Рутинна профілактика з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих та дітей, починаючи з народження, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням або без утворення інгібіторів до фактора VIII.

11) інформація про наявність показань до медичного застосування лікарського засобу для використання під час надання медичної допомоги при станах, що зазначені у пріоритетних напрямках розвитку сфери охорони здоров'я:

У листі зверненні МОЗ від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26 зазначено, що державну ОМТ за скороченою процедурою щодо лікарського засобу еміцизумаб

необхідно провести за показанням для рутинної профілактики з метою зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Гемофілія А внесена під номером 98878 до Довідника рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 15.01.2026 р. №60.⁴ Зазначаємо, першочергове забезпечення профілактики, ранньої діагностики і лікування неінфекційних захворювань, зокрема орфанних захворювань віднесено до пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я в Україні відповідно до наказу МОЗ України від 30 грудня 2025 р. №1976 “Про затвердження пріоритетних напрямів розвитку сфери охорони здоров'я на 2026-2028 роки”⁵.

Забезпечення доступу пацієнтів, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, до лікарських засобів, медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування є однією із складових «Плану заходів щодо реалізації Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки». Метою цієї Концепції є зменшення смертності від рідкісних (орфанних) захворювань, підвищення якості життя пацієнтів, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, шляхом забезпечення справедливого та рівного доступу до якісної медичної допомоги таким пацієнтам, зокрема до якісних, ефективних та безпечних лікарських засобів для лікування рідкісних (орфанних) захворювань, до медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування, а також психологічного супроводу. Мета і цілі цієї Концепції відповідають Цілям сталого розвитку на 2016 - 2030 роки, затвердженим Порядком денним в галузі розвитку на Саміті ООН, що відбувся у вересні 2015 року в рамках 70-ї сесії Генеральної Асамблеї ООН⁶.

3. Висновок уповноваженого органу щодо результатів порівняльної ефективності (результативності), безпеки, ефективності витрат на лікарський засіб та аналізу впливу на показники бюджету

1) дані щодо пріоритетності захворювання (стану)

Гемофілія А – це рідкісне зчеплене з X-хромосомою порушення згортання крові, яке виникає внаслідок дефіциту функціонального плазматичного фактора VIII (далі – FVIII). За ступенем тяжкості захворювання може бути тяжким, середнього ступеня тяжкості або легким, при цьому початковий рівень фактора згортання становить менше 1% від норми при тяжкій формі, від 1% до 5% – при середній та понад 5% від норми – при легкій формі.⁷

У пацієнтів із гемофілією середнього та легкого ступеня тяжкості кровотечі виникають рідко, і часто лише після травм або у зв'язку з хірургічними втручаннями та інвазивними процедурами. У тяжких випадках, окрім надмірної та

⁴ <https://moz.gov.ua/storage/uploads/b4052f6d-9b52-4421-ac24>

⁵ https://moz.gov.ua/storage/uploads/f33193b4-9a71-4a82-bfbb-92032a717f91/dn_1967_30122025_dod.pdf

⁶ <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/377-2021-%D1%80#Text>

⁷ <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/10.1111/hae.14046>

тривалої кровотечі після травм, існує підвищений ризик спонтанних крововиливів у суглоби, м'язи та м'які тканини навіть за відсутності гемостатичного провокуючого фактора.⁸ Повторні крововиливи в суглоби призводять до розвитку гемофілічної артропатії різного ступеня тяжкості.

Лікування гемофілії здійснюється за допомогою профілактичної терапії та терапії “на вимогу” дефіцитними факторами згортання крові, які можуть бути концентратами плазмового походження або рекомбінантними.⁹ Однак у 30-50% пацієнтів утворюються нейтралізуючі антитіла (інгібітори) до факторів згортання, що робить замісну терапію неефективною.¹⁰

Інгібітори розвиваються у раніше нелікованих пацієнтів з гемофілією А, з яких 79% виникають протягом перших 20 експозицій, а решта (21%) протягом перших 75 експозицій (**експозиція визначається як будь-який 24-годинний період, протягом якого вводиться препарат, що містить фактор коагуляції FVIII*).

Розвиток інгібіторів є найсерйознішим ускладненням лікування пацієнтів з гемофілією А, тому одним з пріоритетних напрямів клінічних досліджень з гемофілії є більш глибоке розуміння причин виникнення інгібіторів та запобігання їхньому утворенню.¹¹

Кількісне визначення інгібіторів проводиться методом Бетезда у модифікації Неймеген. Позитивний результат тесту на інгібітор для FVIII – це титр $>0,6$ Бетезда одиниць (БО), титри $<5,0$ БО визначаються як низьковідповідаючий (англ. low-responding) інгібітор, титри $\geq 5,0$ БО як високовідповідаючий (англ. high-responding) інгібітор¹².

Згідно даних звіту Всесвітньої федерації гемофілії про щорічне глобальне дослідження (World Federation of Hemophilia Report on the Annual Global Survey 2024¹³), які були отримані від 135 країн (із 152 опитаних), у 2024 році у світі було ідентифіковано приблизно 271918 пацієнтів із гемофілією, з яких 224353 мало гемофілію А. Поширеність гемофілії А становить 17,1 випадків на 100 тисяч чоловічого населення, з них 6,0 випадків на 100 тисяч тяжких форм. Більшість випадків залишаються недіагностованими, особливо в країнах із обмеженим доступом до діагностики. Серед усіх форм гемофілії частка гемофілії А складає 80-85%.¹⁴

Серед новонароджених поширеність гемофілії будь-якого ступеня тяжкості діагностується у 24,6 випадків на 100 000 новонароджених хлопчиків, з них 9,5 випадків тяжких форм. Для гемофілії А цей показник становить приблизно 1 на 5000 - 10000 чоловіків.

⁸ <https://onlinelibrary.wiley.com/doi/abs/10.1046/j.1365-2516.2003.00780.x>

⁹ <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/11396445/>

¹⁰ <https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC8407852/>

¹¹ <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-1922.pdf>

¹² https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2025/03/2025_ykpm_d_537_gemofiliya-a.pdf

¹³ <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2588.pdf>

¹⁴ <https://wfh.org/>

Згідно з результатами цього ж дослідження, востаннє дані щодо України оновлювалися у 2024 році. Відповідно до них, у 2024 році було вперше діагностовано 17 нових випадків гемофілії, а загальна кількість зареєстрованих пацієнтів становила 1 641 особу, з яких у 1 395 осіб було діагностовано гемофілію типу А.¹⁵

Відповідно до додатку до листа МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26, станом на 2026 рік кількість дорослих, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII, які потребуватимуть застосування еміцизумабу становить [REDACTED].

2) дані щодо достовірності результатів порівняльної клінічної ефективності та безпеки заявленого лікарського засобу, а також рівня доданої клінічної користі. Опис (представлення) зазначених результатів

Лікарський засіб еміцизумаб, як препарат, що впливає на коагуляцію, включений до останньої актуальної 24 версії Базового переліку основних лікарських засобів, рекомендованого ВООЗ (WHO Model List of Essential Medicines) 2025 року¹⁶ що свідчить про його доведену клінічну ефективність та безпеку.

Експертний комітет ВООЗ¹⁷ зазначає, що серед людей із гемофілією А, які отримують профілактику замісною терапією FVIII, приблизно у 30% утворюються інгібітори до FVIII, що робить подальше використання замісної терапії FVIII неефективним та призводить до підвищення захворюваності та смертності. В той же час, застосування еміцизумабу для профілактичного лікування дорослих і дітей із гемофілією А – як з наявністю інгібіторів до FVIII, так і без них – порівняно з відсутністю профілактики або терапією FVIII чи ВРА, асоціюється із наступними перевагами:

- вагоме зниження частоти кровотеч та використання ВРА;
- підвищує шанси на відсутність епізодів кровотеч;
- сприяє збереженню функції суглобів, зменшує хірургічні ризики й тягар для осіб, що доглядають за пацієнтами;
- покращує показники якості життя, що пов'язані зі здоров'ям;
- більшість побічних ефектів зазвичай мають легкий або помірний ступінь тяжкості та піддаються контролю.

Найбільша цінність профілактики еміцизумабом спостерігається у людей із гемофілією А з інгібіторами до FVIII, у яких замісна терапія факторами згортання крові є неефективною. Розглядаючи можливість включення еміцизумабу до національних переліків основних лікарських засобів в умовах обмежених ресурсів та відповідно до національних потреб, особи, які приймають рішення, можуть на першому етапі пріоритезувати/обмежити вибір застосування еміцизумабу популяцією пацієнтів із гемофілією А з інгібіторами до FVIII.

При проведенні повторного аналізу доказових даних щодо підходів до рутинної профілактики епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А з

¹⁵ <https://www1.wfh.org/publications/files/pdf-2588.pdf>

¹⁶ <https://iris.who.int/server/api/core/bitstreams/17642505-ecd3-4940-a691-4f1dfa0d835a/content>

¹⁷ <https://list.essentialmeds.org/recommendations/1469>.

утворенням інгібіторів до фактора VIII, проведено оновлений пошук третинних джерел інформації на сайтах міжнародних профільних організацій, у базах даних PubMed та Trip Database, а також пошук галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я України.

В результаті проведеного оновленого пошуку галузевих стандартів у сфері охорони здоров'я України було встановлено, що еміцизумаб відсутній у **Державному формулярі лікарських засобів**, затвердженому наказом МОЗ України від 27 липня 2026 № 1021.¹⁸

В той же час, з моменту публікації висновку уповноваженого органу з державної ОМТ за скороченою процедурою у 2024 році відповідно до **реєстру медико-технологічних документів зі стандартизації медичної допомоги** наказом МОЗ України від 26 березня 2025 року № 537 було затверджено **Уніфікований клінічний протокол первинної та спеціалізованої медичної допомоги “Гемофілія А” (далі - Протокол)**,¹⁹ в якому зазначено, що еміцизумаб – міметик FVIII, що імітує кофакторну функцію FVIII, незалежно від наявності інгібіторів. Лікарський засіб демонструє високу ефективність у профілактиці кровотеч у дорослих та дітей з гемофілією А з інгібіторами FVIII або без них, впливає на зменшення кількості ускладнень та госпіталізацій, характеризується високою прихильністю до терапії.

Під час проведення індукції імунної толерантності (далі – ІТ), якщо у пацієнтів спостерігаються часті кровотечі, їх можна зупинити шунтуючими препаратами або призначити профілактику нефакторною терапією (еміцизумаб).

На сьогодні не існує ані можливості вилікування, ані специфічної профілактики гемофілії А, яка б дозволила уникнути хвороби. Проте, рання діагностика та профілактична замісна терапія позитивно впливає на перебіг хвороби. Профілактична замісна терапія полягає у регулярному внутрішньовенному введенні плазмових або рекомбінантних концентратів фактора VIII, що суттєво зменшує ймовірність кровотеч. Іншим варіантом профілактичної терапії є підшкірне введення нефакторної терапії рекомбінантного моноклонального антитіла еміцизумабу, який в процесі згортання крові виконує таку ж функцію, як фактор VIII. Профілактична терапія знижує ризик небезпечних кровотеч, запобігає пошкодженню опорно-рухового апарату, зменшує хронічний біль, функціональні обмеження та інвалідність, знижує потребу ортопедичної хірургії, невідкладної допомоги, госпіталізації, дає можливість повноцінного життя з відвідуванням школи та можливістю праці.

У рамках державної ОМТ лікарського засобу еміцизумаб, проведеної у 2023 році, заявником було надано третинні джерела інформації, що включали клінічні настанови, консенсуси та рекомендації, які регламентують сучасний підхід до ведення таких пацієнтів. У ході даної ОМТ було здійснено повторну перевірку актуальності зазначених джерел та пошук нових. За результатами аналізу

¹⁸https://moz.gov.ua/storage/uploads/9a532cd0-2395-4782-914f-49d7307bfe24/dn_1021_27072026_dod.pdf

¹⁹ https://www.dec.gov.ua/wp-content/uploads/2025/03/2025_ykpmid_537_gemofiliya-a.pdf

встановлено, що третинні джерела не зазнали змін з часу попередньої оцінки і залишаються чинними, а саме:

- рекомендації Медичної та наукової консультативної ради щодо профілактики гемофілії А та В з інгібіторами та без них, 2022;²⁰
- рекомендації Всесвітньої федерації гемофілії (WFH) щодо лікування гемофілії, 3-тє видання від 2020 року;²¹
- практичні вказівки Німецько-австрійсько-швейцарського товариства досліджень тромбозу та гемостазу щодо застосування еміцизумабу у пацієнтів з гемофілією А, 2020;²²

Таким чином, міжнародні рекомендації та консенсуси, викладені за результатами попередньої державної ОМТ 2023 року, залишаються релевантними й чинними щодо застосування еміцизумабу як рутинної профілактики кровотеч у дорослих пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії А, а включення еміцизумабу, як препарату, що впливає на коагуляцію, до актуальної 24 версії Базового переліку основних лікарських засобів ВООЗ, 2025 року свідчить про його доведену ефективність та безпеку.

У висновку уповноваженого органу від 19.09.2023 за результатами проведеної ОМТ лікарського засобу еміцизумаб за показанням для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII релевантним компаратором визначено антиінгібіторний коагулянтний комплекс (далі – АКК) у режимі профілактики та при лікуванні кровотеч “на вимогу”. Повідомляємо, що станом на дату написання даного висновку АКК для лікування пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії типу А наявний у переліку лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них, що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров’я, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 7 березня 2022 року № 216²³ за напрямом “Лікарські засоби для забезпечення дорослих, хворих на гемофілію типів А або В або хворобу Віллебранда” з приміткою “лікування пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії типу В та гемофілії типу А з помірними кровотечами у режимі лікування “на вимогу””.²⁴ Таким чином, АКК у режимі лікування “на вимогу” визначено релевантним компаратором для дорослих пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії типу А.

Таким чином, для подальшого проведення державної ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб було сформульоване наступне досліджуване клінічне питання: визначити ефективність та безпеку застосування еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення

²⁰<https://www.bleeding.org/healthcare-professionals/guidelines-on-care/masac-documents/masac-document-268-recommendation-on-the-use-and-management-of-emicizumab-kxwh-hemlibrar-for-hemophilia-a-with-and-without-inhibitors>

²¹ <https://elearning.wfh.org/resource/treatment-guidelines/>

²²<https://www.thieme-connect.de/products/ejournals/html/10.1055/a-1127-6476>

²³ Постанова Кабінету міністрів України від 07.03.2022 №216 “Деякі питання закупівлі лікарських засобів, медичних виробів та допоміжних засобів до них” <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/216-2022-%D0%BF#Text>

²⁴ <https://zakon.rada.gov.ua/laws/show/216-2022-%D0%BF#Text>

частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII у порівнянні з АКК у режимі лікування “на вимогу”.

Популяція (P, population): дорослі пацієнти з інгібіторною формою гемофілії типу А;

Втручання (I, intervention): еміцизумаб;

Компаратор (C, comparator): антиінгібіторний коагулянтний комплекс у режимі лікування “на вимогу”;

Кінцеві точки (O, outcomes): загальна частота епізодів кровотеч, частота кровотеч, що потребуватимуть лікування, суглобові кровотечі, побічні реакції.

Стратегія пошуку даних: оновлений пошук даних проведено у базах даних PubMed, The Cochrane Library database. Пошук літератури був обмежений англomовними статтями та повнотекстовими публікаціями.

Критерії включення: систематичні огляди та метааналізи рандомізованих контрольованих досліджень, проспективних та ретроспективних обсерваційних досліджень; рандомізовані та нерандомізовані клінічні дослідження з вивчення застосування еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих пацієнтів, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII у порівнянні з АКК.

Критерії виключення: дослідження на тваринах, здорових добровольцях, рандомізовані та нерандомізовані дослідження I та II фаз, відсутність представлення результатів дослідження.

Ключові слова пошуку: emicizumab, adult patients, hemophilia, haemophilia, haemophilia A, hemophilia A with inhibitors, aPCC. Під час пошуку інформації використано оператори «Boolean» (AND, OR, NOT).

Після виключення дублікатів, вичитки заголовків та абстрактів, перевірки публікацій на відповідність визначеному клінічному питанню виявлено Кокрейнівський систематичний огляд з метааналізом *Omotola et al., 2026*.²⁵

За критеріями включення систематичний огляд з метаналізом (*Omotola et al., 2026*) охоплював виключно рандомізовані контрольовані дослідження, де оцінювали пацієнтів з вродженою гемофілією А або В з інгібіторами та без них, які отримували терапію лікарськими засобами, що не містять факторів згортання крові для профілактики кровотеч (загалом 6 досліджень, 397 учасників). Усі включені дослідження підлягали оцінці достовірності доказів з використанням підходу GRADE та аналізу ризику упередженості (англ. risk of bias).

Критеріями клінічної значущості ефекту в метаналізі було визначено зменшення річної частоти спонтанних кровотеч принаймні на 1 випадок на пацієнта та зростання частки осіб без кровотеч на 10%. Щодо якості життя (Haem-A-QoL), клінічно вагомим вважалося покращення (зниження балу) на 7 пунктів за загальною шкалою.

За даними *Omotola et al., 2026* підгруповий аналіз пацієнтів із гемофілією А та інгібіторами свідчить про клінічну перевагу профілактичного лікування еміцизумабом порівняно з терапією препаратами шунтувальної дії (англ. bypassing

²⁵ <https://www.cochranelibrary.com/cdsr/doi/10.1002/14651858.CD014544.pub3/full>

agents, BPA) “на вимогу” – помірний рівень визначеності доказів (англ. moderate certainty) за шкалою GRADE, зокрема:

- профілактика еміцизумабом асоціюється з клінічно та статистично значущим зниженням річної частоти кровотеч, що потребували лікування (середня різниця, MD -20,40; 95% CI: від -35,19 до -5,16);

- профілактика еміцизумабом свідчить про клінічно та статистично значуще зниження спонтанних кровотеч (MD -15,50; 95% CI: від -24,06 до -6,94);

- ймовірність досягнення нульової частоти кровотеч протягом 12 місяців зростає у 11,31 раза (відносний ризик, RR 11,31; 95% CI: 1,66-77,30);

- аналіз частоти суглобових кровотеч свідчить про тенденцію щодо їх зменшення (MD -5,90; 95% CI: від -15,42 до 3,62), проте виявлена різниця не була статистично значущою;

- профілактичне лікування еміцизумабом сприяє покращенню якості життя пацієнтів, зафіксованому за шкалою Haem-A-QoL (MD -13,20 балів; 95% CI: від -20,84 до -5,56), що значно перевищує поріг мінімальної клінічно значущості (7 балів), проте за критеріями GRADE рівень доказовості для даного показника визначено як низький (англ. low certainty);

Аналіз безпеки свідчить про зростання загальної частоти небажаних явищ (RR 1,97; 95% CI: 1,26-3,10; помірна визначеність доказів), при цьому різниця частоти виникнення серйозних небажаних явищ між групами пацієнтів, що отримували профілактику еміцизумабом та терапію BPA “на вимогу” не була статистично значущою (RR 1,32; 95% CI: 0,48-3,63; помірна визначеність доказів).

Отже, результати систематичного огляду з метааналізом (*Omotola et al., 2026*) свідчать про високу клінічну ефективність еміцизумабу для профілактики кровотеч у пацієнтів з гемофілією А та інгібіторами. Водночас, варто зазначити, що доказова база для підгрупи пацієнтів із гемофілією А та інгібіторами у даному систематичному огляді представлена єдиним дослідженням HAVEN 1 (n=53), що уже було проаналізовано уповноваженим органом у 2023 році, а детальні результати якого викладено в попередньому висновку державної ОМТ (висновок уповноваженого органу від 19.09.2023).

Уповноваженим органом проведена оцінка методологічної якості систематичного огляду з мережевим метааналізом *Omotola et al., 2026* за інструментом критичної оцінки AMSTAR 2 та встановлено помірну методологічну якість (англ. moderate methodological quality).

З метою оцінки ефективності та безпеки застосування еміцизумабу в умовах реальної клінічної практики уповноваженим органом додатково було проаналізовано результати обсерваційних досліджень (англ. real world evidence, RWE), зокрема, дані Національного реєстру гемофілії Великої Британії (UKHCDO; *Scott M. et al., 2023*),²⁶ отримані під час трирічного дослідження пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії А.

²⁶ <https://pubmed.ncbi.nlm.nih.gov/36811304/>

Результати підгрупового аналізу дорослих пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії А (n=65, медіана віку 45 років), які отримували профілактику еміцизумабом свідчать, що середня річна частота пролікованих кровотеч (ABR) на тлі прийому еміцизумабу становила 0,37 (95% CI 0,18-0,79). Спонтанні та суглобові кровотечі виникали з частотою 0,23 (95% CI 0,08-0,65) та 0,32 (95% CI 0,15-0,68) відповідно. Протягом трирічного періоду спостереження не надходило повідомлень про випадки мікроангіопатії, втрати ефективності або утворення нейтралізуючих антитіл до препарату.

Таким чином, дані Національного реєстру гемофілії Великої Британії (Scott M. et al., 2023) підтверджують результати ефективності та безпеки еміцизумабу за даними систематичного огляду з метааналізом (Omotola et al., 2026), тому висновки уповноваженого органу щодо ключових параметрів ефективності (зокрема, вираженого зниження частоти пролікованих та спонтанних кровотеч) і сприятливого профілю безпеки застосування еміцизумабу для рутинної профілактики кровотеч у дорослих пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії А, залишаються незмінними.

3) дані щодо економічної доцільності в частині ефективності витрат використання лікарського засобу відповідно до рекомендованої шкали граничних значень інкрементального показника ефективності витрат в Україні

Відповідно до п.7 Порядку проведення державної ОМТ, затвердженого постановою КМУ від 23 грудня 2020 р. № 1300 (далі - Порядок), державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає проведення аналізу ефективності витрат та розрахунку інкрементального показника ефективності витрат (ICER) в Україні.

4) дані щодо результатів економічної доцільності в частині аналізу впливу на показники бюджету

Відповідно до п.7 Порядку, державна ОМТ за скороченою процедурою передбачає проведення аналізу впливу на показники бюджету в Україні.

Мета: оцінити вплив на бюджет лікарського засобу еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII.

Метод: аналіз впливу на бюджет з часовим горизонтом один рік. Аналіз проведений на підставі прямих медичних витрат на медичну технологію з перспективи державного платника визначеної цільової популяції відповідно до даних, наданих у зверненні МОЗ України (відповідно до листа МОЗ України від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26).

Згідно з інформацією, викладеною у додатку до листа МОЗ від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26, для проведення розрахунків було використано закупівельну ціну за договором керованого доступу минулого періоду, що становить [REDACTED] без урахування ПДВ за 1 міліграм еміцизумабу.

Таблиця 1. Вхідні дані для аналізу впливу на бюджет

Еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII, 18.09.2026

Параметр	Еміцизумаб	Антиінгібіторний коагулянтний комплекс
Склад діючих речовин	1) 1 флакон містить 30 мг/1 мл еміцизумабу 2) 1 флакон містить 150 мг/1 мл еміцизумабу	1) на 1 мл розчину: білок плазми людини 10-30 мг, активність шунтуюча інгібітори до Фактора коагуляції крові людини VIII 25 Од. 2) на 1 мл розчину: білок плазми людини 20-60 мг, активність шунтуюча інгібітори до Фактора коагуляції крові людини VIII 50 Од.
Форма випуску та дозування	1) розчин для ін'єкцій по 30 мг/1 мл; по 1 мл (30 мг) у флаконі, по 1 флакону в картонній коробці 2) розчин для ін'єкцій по 150 мг/1 мл; по 0,4 мл (60 мг); по 0,7 мл (105 мг); по 1 мл (150 мг) у флаконі, по 1 флакону у картонній коробці	1) порошок та розчинник для розчину для інфузій по 500 Од., порошок у флаконах; розчинник (вода для ін'єкцій) по 20 мл у флаконах; по 1 флакону з порошком у комплекті з 1 флаконом з розчинником та набором для розчинення і введення у коробці 2) порошок та розчинник для розчину для інфузій по 1000 Од.; порошок у флаконах; розчинник (вода для ін'єкцій) по 20 мл у флаконах; по 1 флакону з порошком у комплекті з 1 флаконом з розчинником та набором для розчинення і введення у коробці
Схема застосування	3 мг/кг 1 р./тиждень протягом 4 тижнів, в подальшому – підтримуюча доза: 1,5 мг/кг 1 р./тиждень або 3 мг/кг 1 р./2 тижні, або 6 мг/кг 1 р./4 тижні	1) профілактика: 70-100 Од/кг маси тіла через день для профілактики кровотеч у пацієнтів з високими титрами інгібіторів і частими кровотечами після невдалої індукції імунної толерантності (ІТ) або коли ІТ не розглядається. За необхідності дозу можна збільшити до 100 Од/кг маси тіла на добу або поступово зменшувати 2) лікування “на вимогу”: 100 Од/кг для помірних кровотеч 200 Од/кг для тяжких кровотеч
Ціна, грн		20,18 грн/Од** ²⁷

*відповідно до додатку до листа МОЗ від 19.08.2026 № 03.4.0/45597/2-26 для проведення розрахунків було використано закупівельну ціну за договором керованого доступу минулого періоду без ПДВ

**ціна обрана відповідно до даних останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro станом на 2021 рік з огляду на те, що наразі антиінгібіторний коагулянтний комплекс закуповується за договором керованого доступу, відповідно до якого ціна є конфіденційною

Розрахунки було проведено відповідно до рекомендованих доз, зазначених в інструкціях для медичного застосування лікарських засобів, з урахуванням, що середня вага дорослого пацієнта – 70 кг. Вартість лікування усіма лікарськими засобами розраховано з математичним округленням необхідної кількості флаконів до цілого числа у бік збільшення.

²⁷закупівельна ціна з останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro - договір про закупівлю від 23.11.2021: <https://prozorro.gov.ua/tender/UA-2021-11-05-005039-b>

Відповідно до рекомендацій Робочої групи та виконавчого комітету Центру гемофілії Великобританії (UKHCDO)²⁸ та Медично-наукової консультативної ради Національного фонду боротьби з гемофілією (MASAC)²⁹ для лікування епізодів кровотеч у пацієнтів, які отримували еміцизумаб, лікарським засобом “першої лінії” є ептаког-альфа активований (rFVIIa) у дозі 90 мкг/кг, зважаючи на високий ризик розвитку тромбозу при застосуванні вищих доз. Ціна на лікарський засіб ептаког-альфа активований для проведення розрахунків була отримана за даними останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro³⁰.

Таблиця 2. Витрати на рік лікування одного дорослого пацієнта

Показник	Результати
Тривалість курсу лікування заявленим ЛЗ та компаратором, в тому числі очікувана кількість повторюваних курсів лікування	Часовий горизонт тривалості курсу лікування - 1 рік
Витрати на одного пацієнта заявленого ЛЗ (нової пропозиції), грн	Еміцизумаб для профілактики кровотеч: [REDACTED] Еміцизумаб (профілактика кровотеч)+лікування 3 епізодів кровотеч “на вимогу” ептакогом-альфа активованим: [REDACTED]
Витрати на одного пацієнта із застосуванням компаратора, грн	Антиінгібіторний коагулянтний комплекс - для лікування 23 епізодів кровотеч “на вимогу”: 4 873 470,00 грн - середня вартість на рік для помірних та тяжких кровотеч (усереднено між вартістю 3 248 980,00 грн - у дозі 100 ОД/кг для помірних кровотеч та 6 497 960,00 - у дозі 200 ОД/кг для тяжких кровотеч)*
Різниця у прямих витратах на заявлений лікарський засіб та компаратор на одного пацієнта, грн	[REDACTED]

Примітка:

Відповідно до результатів клінічного дослідження HAVEN-1 (Oldenburg et al., 2017)³¹ при профілактичному застосуванні еміцизумабу у пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії А спостерігалось 3 епізоди кровотеч на рік, які вимагали лікування “на вимогу” засобами шунтуючої дії, та 23 епізоди кровотеч у пацієнтів, що не отримували профілактику еміцизумабом (лікування “на вимогу”).

*якщо зробити припущення, що у пацієнта протягом року виникатимуть лише помірні кровотечі, які потребуватимуть лікування “на вимогу” антиінгібіторним коагулянтним

²⁸http://www.ukhcdo.org/wp-content/uploads/2019/05/2018-Collins_et_al-2018-Haemophilia.pdf

²⁹<https://www.bleeding.org/healthcare-professionals/guidelines-on-care/masac-documents/masac-document-268-recommendation-on-the-use-and-management-of-emicizumab-kxwh-hemliblar-for-hemophilia-a-with-and-without-inhibitors>

³⁰закупівельна ціна з останнього завершеного тендеру за даними електронної системи публічних закупівель Prozorro - договір про закупівлю від 18.11.2025: <https://prozorro.gov.ua/uk/tender/UA-2025-10-29-013817-a>

³¹ https://www.nejm.org/doi/full/10.1056/NEJMoa1703068?query=recirc_curatedRelated_article

Еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII, 18.09.2026

комплексом, витрати на лікування одного пацієнта становитимуть 3 248 980,00 грн,

Відповідно до даних з додатків до листа МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26 кількість дорослих пацієнтів з інгібіторною формою гемофілії типу А, яким призначено еміцизумаб, становить [REDACTED], тому розрахунки витрат на популяцію пацієнтів були проведені для [REDACTED].

Аналіз впливу на бюджет у частині розрахунку витрат на лікарський засіб проведено на підставі прямих медичних витрат на лікарські засоби з перспективи державного платника представлено у таблиці 3.

Таблиця 3. Результати аналізу впливу на показники бюджету при використанні еміцизумабу та антиінгібіторного коагулянтного комплексу

	1 рік (дорослі)
Кількість пацієнтів	
Кількість дорослих пацієнтів, що можуть потребувати лікування	[REDACTED]
Сценарій 1: уся когорта пацієнтів отримує заявлену медичну технологію - еміцизумаб	[REDACTED]
Сценарій 2: уся когорта пацієнтів отримує медичну технологію порівняння - антиінгібіторний коагулянтний комплекс	[REDACTED]
Витрати на всю популяцію пацієнтів, грн	
Сценарій 1: витрати на забезпечення усієї когорти пацієнтів заявленою медичною технологією - еміцизумаб (з урахуванням витрат, що виникають на фоні профілактики), грн	[REDACTED]
• з них витрати на еміцизумаб, грн	[REDACTED]
Сценарій 2: витрати на забезпечення усієї когорти пацієнтів медичною технологією порівняння - антиінгібіторний коагулянтний комплекс для лікування кровотеч “на вимогу”, грн	(в середньому для помірних та тяжких кровотеч)
[REDACTED] при використанні еміцизумабу порівняно з лікуванням “на вимогу” антиінгібіторним коагулянтним комплексом помірних та тяжких кровотеч, грн	[REDACTED]

Відповідно до проведеного аналізу встановлено, що використання еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII [REDACTED] порівняно із лікуванням “на вимогу” помірних та тяжких кровотеч антиінгібіторним коагулянтним комплексом з урахуванням припущення, що вони виникатимуть протягом року з однаковою частотою.

Результати змодельованого аналізу впливу на бюджет в Україні показали, що витрати на закупівлю еміцизумабу за закупівельною ціною за договором керованого доступу минулого періоду без ПДВ (██████████), становлять ██████████ для одного дорослого та ██████████ для лікування когорти пацієнтів (██████████). Відповідно до рекомендованої шкали оцінки впливу на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб в Україні на підставі даних державних витрат на лікарські засоби у 2025 році, встановлено, що при застосуванні еміцизумабу, вплив на бюджет на 1 рік буде ██████████

5) дані щодо коректності інформації про наявність або відсутність економічних та клінічних переваг застосування лікарського засобу порівняно з лікарським засобом або іншою медичною технологією порівняння (або його відсутності)

Відповідно до п.7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає проведення експертизи поданих заявником заяви і досьє, на підставі яких можна зробити висновок про коректність наданої інформації.

3¹. Рівень доданої клінічної користі заявленого лікарського засобу визначається уповноваженим органом для показання, за яким подано заяву, з урахуванням: клінічної значущості результатів для здоров'я, величини відносного ефекту, профілю безпеки та оцінки якості доказових даних

Відповідно до п.7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає визначення рівня доданої клінічної користі.

4. Рекомендації щодо включення (виключення) лікарського засобу до (з) Національного переліку основних лікарських засобів та (або) переліків, що закуповуються за кошти державного бюджету для виконання програм та здійснення централізованих заходів з охорони здоров'я, та (або) рекомендації щодо застосування для цілей охорони здоров'я лікарського засобу, оплата, закупівля або відшкодування вартості якого здійснюється з метою виконання регіональних цільових програм з охорони здоров'я, що повністю чи частково фінансуються за рахунок коштів місцевих бюджетів, та (або) рекомендації

щодо укладення або продовження дії (пролонгації) договорів керованого доступу та (або) інші рекомендації у разі необхідності ухвалення рішень в системі охорони здоров'я

Станом на 18.09.2026 відповідно до звернення МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26 проведено державну ОМТ за скороченою процедурою лікарського засобу еміцизумаб для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих пацієнтів, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII на виконання підпункту 7 пункту 8 Порядку проведення державної оцінки медичних технологій, затвердженого постановою Кабінету Міністрів України від 23.12.2020 № 1300 зі змінами (далі – Порядок). Відповідно до п.22 Порядку висновок уповноваженого органу має рекомендаційний характер.

За результатами державної ОМТ лікарського засобу еміцизумаб за скороченою процедурою встановлено:

Результати порівняльної клінічної ефективності (результативності), рівня доданої клінічної користі

Лікарський засіб еміцизумаб, як препарат, що впливає на коагуляцію, включений до останньої актуальної 24 версії Базового переліку основних лікарських засобів, рекомендованого ВООЗ 2025 року що свідчить про його доведену клінічну ефективність.

За результатами систематичного огляду з метааналізом *Omotola et al., 2026* встановлено, що профілактика еміцизумабом забезпечує клінічно та статистично значуще зниження річної частоти кровотеч, що потребують лікування (MD -20,40; 95% CI: від -35,19 до -5,16), і спонтанних кровотеч (MD -15,50; 95% CI: від -24,06 до -6,94), збільшуючи ймовірність досягнення нульової частоти кровотеч протягом 12 місяців у 11,31 раз (RR 11,31; 95% CI: 1,66-77,30), а також сприяє вираженому покращенню якості життя за шкалою Haem-A-QoL (MD -13,20 бала; 95% CI: від -20,84 до -5,56). Водночас виявлена різниця до зменшення кількості суглобових кровотеч (MD -5,90; 95% CI: від -15,42 до 3,62) не була статистично значущою.

Дані Національного реєстру гемофілії Великої Британії (*Scott M. et al., 2023*) середня річна частота пролікованих кровотеч (ABR) на тлі прийому еміцизумабу становила 0,37 (95% CI 0,18-0,79).

Отже, дані щодо клінічної ефективності еміцизумабу для рутинної профілактики кровотеч у пацієнтів з гемофілією А та інгібіторами узгоджуються з попередньою оцінкою уповноваженого органу та повністю зберігають свою актуальність.

Відповідно до п.7 Порядку державна ОМТ за скороченою процедурою не передбачає визначення рівня доданої клінічної користі.

Безпека застосування лікарського засобу

Лікарський засіб еміцизумаб, як препарат, що впливає на коагуляцію, включений до останньої актуальної 24 версії Базового переліку основних лікарських засобів, рекомендованого ВООЗ 2025 року, що свідчить про його сприятливий профіль безпеки.

Дані Національного реєстру гемофілії Великої Британії (Scott M. et al., 2023) підтверджують результати з безпеки еміцизумабу у метааналізі Omotola 2026, відповідно, висновки уповноваженого органу щодо сприятливого профілю безпеки еміцизумабу залишаються незмінними.

Результати ефективності витрат на заявлений лікарський засіб відповідно до рекомендованої шкали граничних значень інкрементального показника ефективності витрат

Державна оцінка медичних технологій за скороченою процедурою не передбачає проведення аналізу ефективності витрат та розрахунку інкрементального показника ефективності витрат (ICER) в Україні.

Результати аналізу впливу на показники бюджету відповідно до рекомендованої шкали оцінки впливу на бюджет

Використання еміцизумабу для рутинної профілактики з метою запобігання або зменшення частоти епізодів кровотеч у дорослих, хворих на гемофілію А (вроджений дефіцит VIII фактора згортання крові) з утворенням інгібіторів до фактора VIII призводить до [REDACTED] порівняно із лікуванням “на вимогу” помірних та тяжких кровотеч антиінгібіторним коагулянтним комплексом з урахуванням припущення, що вони виникатимуть протягом року з однаковою частотою.

Витрати на закупівлю еміцизумабу на рік для когорти пацієнтів ([REDACTED]) за закупівельною ціною за договором керованого доступу минулого періоду без ПДВ ([REDACTED]), становлять [REDACTED]. Відповідно до рекомендованої шкали оцінки впливу на бюджет щодо витрат на заявлений лікарський засіб в Україні на підставі даних державних витрат на лікарські засоби у 2025 році, встановлено, що при застосуванні еміцизумабу, вплив на бюджет на 1 рік буде [REDACTED].

Якість доказових даних

Помірна методологічна якість систематичного огляду з метааналізом Omotola et al., 2026.

Організаційні критерії

Гемофілія А внесена до Довідника рідкісних (орфанних) захворювань, затвердженого наказом МОЗ України від 15.01.2026 р. №60.³² Орфанні захворювання віднесені до пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я в Україні відповідно до наказу МОЗ України від 30 грудня 2025 р. №1976 “Про затвердження пріоритетних напрямків розвитку сфери охорони здоров'я на 2026-2028 роки”.³³

Забезпечення доступу пацієнтів, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, до лікарських засобів, медичних виробів та продуктів спеціального лікувального харчування є однією із складових «Плану заходів щодо реалізації

³² <https://moz.gov.ua/storage/uploads/b4052f6d-9b52-4421-ac24>

³³ https://moz.gov.ua/storage/uploads/f33193b4-9a71-4a82-bfbb-92032a717f91/dn_1967_30122025_dod.pdf

Концепції розвитку системи надання медичної допомоги пацієнтам, які страждають на рідкісні (орфанні) захворювання, на 2021-2026 роки».

Застосування еміцизумабу не потребує додаткових організаційних змін у системі надання медичної допомоги.

Епідеміологічні показники щодо окремого захворювання: поширеності, захворюваності та смертності в Україні

Відповідно до додатку до листа МОЗ України від 19.08.2026 №03.4.0/45597/2-26, станом на 2026 рік кількість дорослих пацієнтів, хворих на гемофілію А з утворенням інгібіторів до фактора VIII, які потребуватимуть застосування еміцизумабу становить [REDACTED].

Враховуючи, що лікарський засіб еміцизумаб включений до останньої актуальної 24 версії Базового переліку основних лікарських засобів, рекомендованого ВООЗ (WHO Model List of Essential Medicines) 2025 року, що свідчить про його доведену клінічну ефективність та безпеку, рекомендації актуальних клінічних настанов і протоколів щодо рутинної профілактики епізодів кровотеч у дорослих пацієнтів з гемофілією А та наявністю інгібіторів до фактора VIII, вищезазначені результати оцінки порівняльної клінічної ефективності та безпеки, [REDACTED], а також враховуючи попередні рекомендації уповноваженого органу, які залишаються актуальними (висновок від 19.09.2023) рекомендовано продовжити застосування процедури договорів керованого доступу.

5. Інформація щодо строку дії висновку уповноваженого органу

Відповідно до п. 21 Порядку висновок уповноваженого органу стосовно відповідної медичної технології вважається чинним до моменту проведення нової державної оцінки медичної технології.